

扩大使用：患者信息

扩大使用，有时又称为“同情使用”，为患者提供一条获得试验药物，生物制剂和医疗设备以治疗严重疾病或状况的通道。

这些试验药物/设备还未经 FDA 批准，其安全性与有效性还未经证明。

他们可能对治疗某种病况有效或无效。必须记住，药物/生物制剂/医疗设备可能会带来意想不到的严重副作用。患者在寻求使用试验医疗产品的时候，需要考虑所有可能的风险。

请访问设备与放射健康中心，以更多地了解[未经批准医疗设备的扩大使用](#)。

在本页上，您将找到有关试验药物和生物制剂扩大使用的信息。

- 扩大使用/同情使用有哪些不同的类型？
- 在审阅我的请求时，FDA 有哪些考虑？
- 我受到风险保护吗？
- 如果我符合标准，我有资格获得药物的扩大使用吗？
- 如何提交扩大使用申请
- 在您提交扩大使用申请之后，您和您的医生将会遇到的情况
- 疑问？

请与您的医疗服务提供方商量，了解使用试验药物（包括生物制剂）是否对您合适。请务必考虑对试验医疗产品具备的了解，您病况的严重程度，以及疗法有效的可能性。您和您的医疗服务提供方应该考虑您的病种，疾病的阶段，以及您现有的其他情况和因素等。

如果您的医疗服务不是由医生提供，您需要找一名有执照的医生愿意为您做以下事情：

- 监督您的治疗
- 与生产商和 FDA 合作
- 获取药物（包括生物制剂）
- 在治疗期间监测您的状况，以及
- 提交必要的文件

只有执照医生才能提交个人患者试验新药扩大使用申请。



请记住，开发药物（包括生物制剂）的公司必须提供药物，没有公司的合作，您无法获得试验产品。

如果您仍有疑问，或想更多地了解该过程，请联络FDA健康与选民事务办公室，电邮PatientNetwork@fda.hhs.gov。

扩大使用/同情使用有哪些不同的类型？

在 FDA 目前的试验药物(包括生物制剂)监管条例下，FDA 可在三大范畴下批准扩大使用。他们是：

- 为个人患者的扩大使用，包括紧急使用；
- 为中等规模患者人群的扩大使用； 和
- 广泛性的扩大使用

在审阅我的请求时，FDA 有哪些考虑？

当主治医生要求一种IND的扩大使用时，FDA在批准或拒绝请求之前，必须考虑该患者是否有严重或随时威胁生命的疾病或状况。联邦监管法规 ([21 CFR Part 312.300](#)) 详细描述了如何给与扩大使用以及FDA需要遵照的步骤。

与您的医生或医疗服务提供方商量很重要，确定您目前的疾病或状况是否符合以下两种情况之一：



- **严重疾病/状况：**病患状况严重影响日常身体功能。短期和自限性病患程度不充分，但病患不需要是不可逆转，可以是持续性或复发性。疾病或状况是否严重是属于临床判断，基于其对一些因素的影响，比如生存，日常功能，以及如果不治疗疾病会逐渐加重的可能性。
- **随时威胁生命：**疾病或状况的现阶段在以后的几个月有发展到死亡的合情可能性， 或者如果没有早期治疗会有过早死亡的可能性。

FDA 还必须**确认**以下情况：

- 没有其他有可比性或令人满意的替代疗法来诊断、监测、或治疗该疾病或状况。
- 患者无法在另一 IND 或试验设计下获得该药物。

- 潜在的患者利益有充分的理由去接受治疗所带来的潜在风险，并且在需要治疗的疾病或状况的框架下，潜在的风险并非不合理。
 - 提供该试验药物的扩大使用不会对支持上市批准的启动，行为或临床试验的完成带来干扰， 或者影响扩大使用潜在的发展。
-

我受到风险保护吗？

当一种药物属于试验型，联邦法律要求其使用经过机构审查委员会（IRB），或伦理委员会的审查。IRB 的责任是保护用药患者，确保在潜在的利益下风险是合理的。IRB 将要求审阅知情同意书，确保患者认识到潜在的风险并愿意接受药物带来的潜在风险的程度。然而，大量未知的风险仍可能存在。

请仔细阅读知情同意书，确保您在签字之前明白与药物相关的风险。

IRB 一般和医院或研究机构挂钩，您的医生不一定直接联络得上 IRB。但也有独立的 IRB。根据 IRB 的具体情况， 审查有可能要收费，患者可能将负责此费用。

如果我符合标准，我有资格获得药物的扩大使用吗？

不一定。即使您符合标准，也有可能有其他障碍。

- 因为您的病史或使用试验药物带来的风险，您的医生可能无法为您寻求扩大使用。您的医生必须确认，药物的可能风险不会超过疾病的可能风险。
- 您的医生可能不愿意管理试验药物的使用。
- 制药公司不被要求在临床试验之外提供药物，他们也可能不愿意或无法提供。
- 公司可能没有足够的药物提供给所有请求扩大使用的患者。有的公司建立了一套抽签系统来决定哪些患者获得使用。其他公司根据具体情况做决定。

试验药物的制造很昂贵。请记住，绝大多数医保公司支付试验药物的使用，用药过程还有额外的成本费用，以及您医院或医疗提供方监测 IND 的费用。您和您的医生一定要考虑到不被第三方支付人比如医保公司或 Medicare 覆盖的试验药物的成本以及其使用所需的医疗费用的费用。

如何提交扩大使用申请

请记住，患者个人不能申请扩大使用，只有负责您医疗的执照医生才可以申请。但患者仍然在申请扩大使用中扮演重要作用。患者了解申请过程很重要。您应该：

- 和您的医生商量扩大使用是否适用于您。
 - 让您的医生参阅 [扩大使用：医生信息](#) 网页。
 - 让您的医生联络制药商以获取对您用药的许可。
 - 让您的医生向 FDA 提交文件以申请扩大使用。
-

在您提交扩大使用申请之后，您和您的医生将会遇到的情况

- FDA或是允许扩大使用的进行，或是不允许（将申请归为 临床试验暂缓进行）
 - 如果治疗使用没有得到允许，FDA 将通知医生该决定。电话之后将有一封书面信函说明 FDA 拒绝请求的原因。
 - 如果获得批准，申请将被分配一个号码。
 - IND 支持方（主治医生）需要将此 IND 号码提供给供药方，以便供药方将药物邮递给主治医生。
 - 在 FDA 收到 IND 提交 30 天之后，IND 被认为活跃有效（用该药物治疗即可开始），或者 FDA 会更早通知医生开始治疗。
-

疑问？

在您和您的医疗服务提供方联络 FDA 请求 IND 扩大使用之前，您可能希望做以下事情：

- 使用我们的临床试验搜索工具搜寻您可能有资格参加的临床试验或访问 [ClinicalTrials.gov](https://clinicaltrials.gov)。
- 通过在线搜索引擎搜索特定的扩大使用项目。
- 直接致电制药公司询问他们的政策。
- 联络患者倡导机构，了解他们是否有与您病情相关的扩大使用项目的信息。

如果您仍对扩大使用试验医疗产品（药物，生物制剂，和医疗设备）的要求有疑问，或对申请过程有疑问，请联络FDA健康和选民事务办公室，电话 301-796-8460， 电邮 PatientNetwork@fda.hhs.gov。